

**Carbaglu® (kwas kargluminowy) w  
leczeniu niedoboru syntazy  
N-acetyloglutaminy**

**Analiza racjonalizacyjna**

---



Warszawa  
marzec 2015



**Autorzy raportu:**

- [REDACTED] - HealthQuest Sp. z ograniczoną odpowiedzialnością Sp. k.
- [REDACTED] - HealthQuest Sp. z ograniczoną odpowiedzialnością Sp. k.

**Wkład pracy:**

- [REDACTED]: kierownictwo prac, analiza danych, edycja dokumentu.
- [REDACTED]: konsultacje merytoryczne.

**Adres do korespondencji:**

[REDACTED]  
[REDACTED]

HealthQuest Sp. z ograniczoną odpowiedzialnością Sp. k.  
ul. Mickiewicza 63 Budynek Megadex A  
01-625 Warszawa  
tel./fax +48 22 468 05 34

**Recenzja:**

Opracowanie nierecenzowane

**Zleceniodawca raportu/finansowanie projektu:**

ORPHAN EUROPE

**Przedstawiciel zleceniodawcy odpowiedzialny za kontakt w sprawie raportu:**

[REDACTED]  
[REDACTED]

Recordati Polska sp. z o.o.  
16 Królewska Street, 00-103 Warsaw, POLAND  
TEL. (00) 48 22 206 84 50 - FAX (00) 48 22 206 84 51

[REDACTED]  
[REDACTED]

## **Spis treści**

<b>1. Cel analizy .....</b>	<b>5</b>
<b>2. Metodyka .....</b>	<b>6</b>
<b>3. Wyniki analizy .....</b>	<b>8</b>
<b>Spis tabel.....</b>	<b>10</b>
<b>Piśmiennictwo .....</b>	<b>11</b>

## 1. Cel analizy

Celem analizy jest identyfikacja mechanizmu, którego wprowadzenie spowoduje uwolnienie środków publicznych w wielkości odpowiadającej co najmniej wzrostowi kosztów wynikającemu z refundacji terapii kwasem kargluminowym (Carbaglu®) stosowanym w leczeniu hiperamonemii spowodowanej pierwotnym niedoborem syntazy N-acetyloglutaminianowej.

Analiza racjonalizacyjna przedkładana jest w przypadku, gdy analiza wpływu na budżet podmiotu zobowiązanego do finansowania świadczeń ze środków publicznych wykazuje wzrost kosztów refundacji. Analiza ta powinna przedstawiać rozwiązania dotyczące refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobów medycznych, których wprowadzenie spowoduje uwolnienie środków publicznych w wielkości odpowiadającej co najmniej wzrostowi kosztów wynikającemu z analizy wpływu na budżet.

## 2. Metodyka

W niniejszej analizie przedstawiono wyniki scenariusza maksymalnego wpływu na budżet zastosowania leku Carabglu, które odniesiono do rozwiązania racjonalizacyjnego.

Analizę pokazującą rozwiązania dotyczące refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego, wyrobów medycznych, których wprowadzenie spowoduje uwolnienie środków publicznych, oparto na mechanizmie związanym z zasadami refundacji leków złożonych. Zgodnie z Art. 5. Ustawy z dnia 12 maja 2011 r. o refundacji leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (*W przypadku, gdy lek zawiera więcej niż jedną substancję czynną za podstawę obliczeń, o których mowa w art. 4, 6, 7, 9 i art. 13–15, przyjmuje się cenę DDD lub liczbę DDD substancji czynnej zawartej w tym leku o najwyższym koszcie DDD*) w przypadku refundacji leku złożonego, limit refundacyjny ustalany jest na jednej substancji. W niniejszej analizie wykorzystano możliwość wygenerowania oszczędności, jakie powstaną w wyniku refundacji leku złożonego, którego oba składniki są już obecnie refundowane w ramach odrębnych grup limitowych.

Na potrzeby niniejszej analizy wykorzystano substancje czynne refundowane w ramach grup limitowych 41.0, (Antagoniści wapnia – pochodne dihydropirydyny) oraz 45.0, (Antagoniści angiotensyny II – produkty jednoskładnikowe i złożone). W ramach grupy limitowej 41.0 refundowane są m.in. preparaty amlodypiny, z kolei w ramach grupy 45.0 refundowane są m.in. preparaty kandesartanu. Wykorzystano fakt, że w chwili obecnej w Polsce zarejestrowane są preparaty złożone kandesartan + amlodypina – Caramlo (8 mg + 5 mg). Lek ten obecnie nie są refundowane. Przyjęto założenie, że lek ten (lub inne połączenie kandesartanu i amlodypiny) mógłby być refundowany w ramach grupy limitowej 45.0, (Antagoniści angiotensyny II – produkty jednoskładnikowe i złożone). W przypadku refundacji tego leku w ramach grupy 45.0 limit refundacyjny nie obejmowałby amlodypiny, a zatem koszty refundacji amlodypiny w ramach grupy 41.0 uległyby redukcji proporcjonalnej do liczby zrefundowanych DDD amlodypiny w preparacie złożonym.

Szacunkową miesięczną sprzedaż kandesartanu oparto na danych z 2014 roku za okres od stycznia do listopada 2014 (dane NFZ).<sup>1</sup> W oparciu o te dane można szacować, że roczna sprzedaż DDD kandesartanu wynosi około 41 358 240 DDD, a roczna sprzedaż DDD losartanu wynosi około 114 963 575 DDD. Wg danych AOTM (analiza weryfikacyjna dla produktu Egiramlon), odsetek pacjentów stosujących terapię dwuskładnikową w leczeniu NT wynosi od 25% do 60-70%.<sup>2</sup> Z kolei badania marketingowe wykonane przez firmę BRASS na populacji 1656 pacjentów z NT wskazują, że antagoniści wapnia występują w leczeniu skojarzonym u 61,5% pacjentów.<sup>3</sup> W badaniu BETAMLO 6004 z 6876 pacjentów (87,3%) stosujących leki z grupy antagonistów wapnia stosowało amlodypinę.<sup>4</sup> Ekstrapolując te dane na

obliczoną wcześniej roczną sprzedaż DDD kandesartanu można szacować, że potencjalna roczna sprzedaż leków złożonych: kandesartan + amlodypiny wyniesie od 5 671 032 do 15 878 890 DDD (w przeliczeniu na DDD kandesartanu) – patrz tabela poniżej. Ponieważ w produkcie Caramlo 8 + 5 mg stosunek DDD kandesartanu do amlodypiny wynosi jak 1:1, zatem liczba sprzedanych (zrefundowanych) DDD kandesartanu odpowiada liczbie sprzedanych DDD amlodypiny w leku złożonym. Wysokość tej sprzedaży odpowiadać będzie redukcji liczby zrefundowanych DDD amlodypiny w ramach grupy limitowej 41.0. Wartość refundacji preparatów amlodypiny obliczono w oparciu o średni ważony udział w rynku leków refundowanych kosztem refundacji preparatów amlodypiny (0,1675 PLN/DDD).<sup>1,5</sup>

Tabela 1. Szacowana wielkość sprzedaży kandesartanu i losartanu (DDD) w leku złożonym.

Szacowana roczna sprzedaż kandesartanu (DDD)	42 250 587	
Odsetek pacjentów stosujących terapię skojarzoną w NT	25%	70%
Szacowana roczna sprzedaż kandesartanu (DDD) w populacji wymagającej terapii skojarzonej	10 562 647	29 575 411
Odsetek pacjentów stosujących leki z grupy antagonistów wapnia	61,50%	
Odsetek pacjentów stosujących amlodypinę	87,30%	
Szacowana roczna sprzedaż amlodypiny (DDD) w populacji wymagającej terapii skojarzonej	5 671 032	15 878 890

### 3. Wyniki analizy

Analiza wpływu na budżet wykazała, że dla scenariusza **maksymalnego**, wzrost wydatków refundacyjnych NFZ wyniesie [REDACTED] w 1. roku i [REDACTED] w 2. roku (patrz tabela 2).

Szacowane oszczędności związane z refundacją leków złożonych kandesartan + amlodypiny w ramach grupy 45.0 wyniosą rocznie od 949 668 zł do 2 659 070 zł (patrz tabela 3), a więc prawdopodobnie przekroczą szacowany wzrost kosztów związanych z refundacją terapii preparatem Carabglu.

Tabela 2. Wyniki analizy wpływu na budżet NFZ – scenariusz maksymalny.

Kategoria kosztów	I rok	II rok
<b>Carabglu® 200 mg x 5 tabletek</b>		
<b>sc. nowy maksymalny</b>		
Carabglu®	[REDACTED]	[REDACTED]
hospitalizacja	[REDACTED]	[REDACTED]
razem	[REDACTED]	[REDACTED]
<b>różnica nowy vs obecny</b>		
Carabglu®	[REDACTED]	[REDACTED]
hospitalizacja	[REDACTED]	[REDACTED]
razem	[REDACTED]	[REDACTED]
<b>Carabglu® 200 mg x 60 tabletek</b>		
<b>sc. nowy maksymalny</b>		
Carabglu®	[REDACTED]	[REDACTED]
hospitalizacja	[REDACTED]	[REDACTED]
razem	[REDACTED]	[REDACTED]
<b>różnica nowy vs obecny</b>		
Carabglu®	[REDACTED]	[REDACTED]
hospitalizacja	[REDACTED]	[REDACTED]
razem	[REDACTED]	[REDACTED]
<b>Carabglu® 200 mg x 5 tabletek (50% nowo diagnozowanych przypadków NAGSD) oraz Carabglu® 200 mg x 60 tabletek (pozostałe 50% nowo diagnozowanych przypadków NAGSD)</b>		
<b>sc. nowy maksymalny</b>		
Carabglu®	[REDACTED]	[REDACTED]
hospitalizacja	[REDACTED]	[REDACTED]
razem	[REDACTED]	[REDACTED]
<b>różnica nowy vs obecny</b>		
Carabglu®	[REDACTED]	[REDACTED]
hospitalizacja	[REDACTED]	[REDACTED]
razem	[REDACTED]	[REDACTED]



Tabela 3. Szacowane oszczędności związane z refundacją kandesartanu w leku złożonym z amlodypiną.

Szacowany redukcja sprzedaży amlodypiny (DDD) w monoterapii	5 671 032	15 878 890
Koszt refundacji/DDD amlodypiny	0,1675 zł	
Szacowane roczne oszczędności związane z refundacją kandesartanu i amlodypiny w leku złożonym	949 668 zł	2 659 070 zł

## Spis tabel

Tabela 1. Szacowana wielkość sprzedaży kandesartanu i losartanu (DDD) w leku złożonym.....	7
Tabela 2. Wyniki analizy wpływu na budżet NFZ – scenariusz maksymalny.....	8
Tabela 3. Szacowane oszczędności związane z refundacją kandesartanu w leku złożonym z amlodypiną.....	9

## Piśmiennictwo

---

<sup>1</sup> Informacje o wielkości kwoty refundacji i liczbie zrefundowanych opakowań jednostkowych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz jednostkowych wyrobów medycznych wraz z podaniem kodu identyfikacyjnego EAN lub innego kodu odpowiadającego kodowi EAN narastająco od początku roku do listopada 2014 r.

Dostęp on-line: <http://www.nfz.gov.pl/new/index.php?katnr=0&dzialnr=2&artnr=6533>

<sup>2</sup> <http://www.aotm.gov.pl/bip/index.php/zlecenia-mz-2012/150-zlc-131-2012/548-131-2012-zlc>

<sup>3</sup>

[http://www.sercowesprawy.info/media/raporty/zachowania\\_terapeutyczne\\_lekarzy\\_dotyczace\\_terapii\\_preparatami\\_z\\_grupy\\_antagonistow\\_wapnia\\_i\\_statyn\\_u\\_chorych\\_z\\_nadcisnieniem\\_tetniczym.pdf](http://www.sercowesprawy.info/media/raporty/zachowania_terapeutyczne_lekarzy_dotyczace_terapii_preparatami_z_grupy_antagonistow_wapnia_i_statyn_u_chorych_z_nadcisnieniem_tetniczym.pdf)

<sup>4</sup> <http://czasopisma.viamedica.pl/nt/article/view/34045>

<sup>5</sup> Obwieszczenie Ministra Zdrowia z dnia 20 lutego 2015 r. w sprawie wykazu zrefundowanych leków, środków spożywczych specjalnego przeznaczenia żywieniowego oraz wyrobów medycznych (Dz. Urz. Min. Zdrow. 2015.9).

Dostęp on-line: <http://www.mz.gov.pl/leki/refundacja/lista-lekow-refundowanych-obwieszczenia-ministra-zdrowia/obwieszczenie-ministra-zdrowia-z-dnia-20-lutego-2015-r>.